

Mastozytose

Klinische Wirksamkeit von Blu-285, einem hoch selektiven KIT-Inhibitor (Abstract 2)

<https://ash.confex.com/ash/2017/webprogram/Paper102910.html>

Fragestellung

Kann ein hoch selektiver cKIT-Inhibitor die Tumorlast und die Symptombelastung bei Patienten mit fortgeschrittener, systemischer Mastozytose reduzieren?

Hintergrund

Bei etwa 90% der Patienten mit fortgeschrittener systemischer Mastozytose (AdvSM) wird die Mutation KIT D816V als Treibermutation gefunden. BLU-285 ist ein oraler, hoch selektiver Inhibitor des KIT activation loop, in dem auch KIT D861V liegt.

Ergebnisse

Vorgelegt wurden die Ergebnisse einer Phase I Studie an 30 Patienten. 24 Patienten hatten eine KIT D816V Mutation, 2 Patienten eine KIT D816Y Mutation, 1 Patient einen KIT Polymorphismus M541L und 3 Patienten keine nachweisbare KIT Aberration. Klinische Effekte waren Reduktion von Urtikaria, Besserung von Malabsorption, Gewichtszunahme und Anstieg des Serumalbumins. Nebenwirkungen im CTCAE Grad 3/4 betrafen Neutropenie, Anämie und periorbitale Ödeme.

Zusammenfassung der Autoren

BLU-285 ist ein potenter, hoch selektiver Inhibitor von KIT D816V und anderen Mutationen im activation loop.

Kommentar

Die Daten sind vielversprechend. Hier eröffnet sich eine wirksame, therapeutische Option für Patienten mit dieser seltenen, prognostisch ungünstigen und morbiditätsträchtigen Erkrankung.